



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/54240/2026
EMA/H/C/002450

Holoclar (*cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali*)

Sintesi in linguaggio semplice di Holoclar e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Holoclar e per cosa si usa?

Holoclar è un trattamento con cellule staminali utilizzato nell'occhio per sostituire le cellule danneggiate sulla superficie (epitelio) della cornea, lo strato trasparente nella parte anteriore dell'occhio che copre l'iride (la parte colorata).

È usato negli adulti con deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave causata da ustioni, anche chimiche, degli occhi. I pazienti con questa affezione non hanno un numero sufficiente di cellule staminali limbari che normalmente fungono da sistema di rigenerazione, ricostituendo le cellule corneali esterne quando vengono danneggiate e quando invecchiano.

Holoclar è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato "prodotto di ingegneria tissutale". È costituito da cellule prelevate dal tessuto limbare del paziente (sul bordo della cornea) e successivamente coltivate in laboratorio in modo da poter essere utilizzate per riparare la superficie corneale danneggiata.

Il deficit di cellule staminali limbari dovuto a ustioni oculari è raro e Holoclar è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 7 novembre 2008. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Come si usa Holoclar?

Holoclar può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il medicinale deve essere somministrato in ospedale esclusivamente da un oculista opportunamente formato e qualificato e solo al paziente le cui cellule limbari sono state utilizzate per produrre il medicinale.

Nella prima fase di trattamento, una piccola parte di tessuto limbare sano (di dimensioni di 1–2 mm²) viene prelevata dal paziente in ospedale e inviata il giorno stesso al produttore del medicinale. Successivamente, le cellule del tessuto sono coltivate in laboratorio e congelate fino alla conferma della data dell'intervento chirurgico. Le cellule scongelate vengono utilizzate per produrre Holoclar facendole crescere su una membrana composta da una proteina denominata fibrina. Holoclar, costituito da tali cellule e membrana, viene poi rinvio all'ospedale, dove viene immediatamente impiantato nell'occhio del paziente mediante operazione chirurgica.

Dopo il prelievo del tessuto limbare al paziente devono essere somministrati antibiotici per prevenire un'infezione oculare. Dopo l'intervento chirurgico, il paziente deve assumere antibiotici e un adeguato medicinale antinfiammatorio.

Holoclar è destinato a un unico trattamento, che tuttavia può essere ripetuto se il medico lo ritiene necessario.

Per maggiori informazioni sull'uso di Holoclar, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Holoclar?

Il principio attivo di Holoclar è costituito dalle cellule limbari del paziente stesso, ossia cellule della superficie della cornea e cellule staminali limbari coltivate in laboratorio. Prima dell'uso di Holoclar il tessuto corneale superficiale danneggiato dell'occhio interessato viene asportato. Dopo l'impianto nell'occhio, le cellule corneali di Holoclar contribuiscono a sostituire la superficie corneale, mentre le cellule staminali limbari fungono da serbatoio di nuove cellule che ricostituiscono continuamente la cornea.

Quali benefici di Holoclar sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio condotto in base alle cartelle cliniche pregresse di pazienti con deficit di cellule staminali limbari da moderato o grave causato da ustioni Holoclar si è dimostrato efficace nel ripristinare una superficie corneale stabile. Un anno dopo l'impianto di Holoclar si è ritenuto che in 75 pazienti su 104 oggetto di studio (72 %) l'impianto avesse avuto esito positivo grazie a una superficie corneale stabile priva di difetti superficiali e poca o nessuna crescita intratissutale di vasi sanguigni (una caratteristica comune del deficit di cellule staminali limbari). Si sono inoltre constatate riduzioni dei sintomi dei pazienti, quali dolore e infiammazione, e miglioramenti della visione.

Gli studi effettuati con Holoclar sono descritti più dettagliatamente nella relazione di valutazione del medicinale.

Quali sono gli effetti indesiderati e le limitazioni di Holoclar?

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni rilevati con Holoclar, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Holoclar (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono dolore oculare, difetti epiteliali della cornea, emorragia della congiuntiva (sanguinamento dei piccoli vasi sanguigni sulla superficie dell'occhio) e blefarite (infiammazione della palpebra).

Perché Holoclar è autorizzato nell'UE?

Holoclar si è dimostrato efficace nel ripristinare superfici corneali sane in pazienti adulti con deficit da moderato a grave di cellule staminali limbari causata da ustioni, nonché nell'attenuare i sintomi e migliorare la visione. Le forme da moderate a gravi di deficit di cellule staminali limbari sono affezioni gravi che, se non trattate, possono portare a una grave riduzione o a una perdita completa della visione. Gli effetti indesiderati di Holoclar sono generalmente gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Holoclar sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Holoclar aveva inizialmente ottenuto una «autorizzazione subordinata a condizioni» che è stata successivamente trasformata in un'autorizzazione standard, in quanto la ditta ha fornito i dati aggiuntivi richiesti dall'Agenzia.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Holoclar?

La ditta che commercializza Holoclar fornirà agli operatori sanitari materiale informativo sull'uso sicuro del trattamento, anche per quanto riguarda la selezione e il seguito dei pazienti e la segnalazione di effetti indesiderati. Anche ai pazienti sottoposti a trattamento sarà fornito materiale informativo.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Holoclar sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Holoclar sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Holoclar sono valutati attentamente e si intraprendono tutte le azioni necessarie per salvaguardare i pazienti.

Altre informazioni su Holoclar

Holoclar ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata valida in tutta l'UE il 17 febbraio 2015. L'autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni è stata trasformata in un'autorizzazione all'immissione in commercio standard il 22 febbraio 2024.

Ulteriori informazioni su Holoclar, compresi il foglio illustrativo e la relazione di valutazione, sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/holoclar.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 03-2026.